

CONNECT

Eine klinische Forschungsstudie zur Zusammenarbeit für Kinder mit schubförmig remittierender MS



RRMS BEI KINDERN: DIE TATSACHEN

Was ist pädiatrische schubförmig remittierende Multiple Sklerose?

Schubförmig remittierende Multiple Sklerose (RRMS) – eine neurologische, entzündliche Autoimmunerkrankung – ist eine demyelinisierende Erkrankung des Zentralnervensystems (ZNS). Sie wird durch entzündliche Veränderungen der Myelinschicht, die Nerven im ZNS umgibt, verursacht und ist gekennzeichnet von einem Muster klar definierter Schübe, bei denen neue oder sich verschlimmernde Symptome auftreten, sich stabilisieren, und sich in der Regel nach einigen Wochen zurückbilden. Auf diese Schübe folgen symptomfreie bzw. symptomarme Phasen.

Bei Patienten, deren Symptome vor dem Alter von 18 Jahren auftreten, lautet die Diagnose pädiatrische MS. Obwohl pädiatrische MS und MS bei Erwachsenen ähnlich sind, haben Studien ein (etwa zwei bis drei Mal) häufigeres Auftreten klinischer Schübe bei Kindern im Vergleich zu Erwachsenen, eine erhöhte Belastung durch T2-Läsionen und ein langsames Fortschreiten der Behinderung festgestellt.

Pädiatrische RRMS ist schwer zu diagnostizieren, besonders bei präpubertären Kindern. Das liegt an der untypischen klinischen, biologischen und MRT-Präsentation sowie der Häufigkeit anderer Erkrankungen im Kindesalter mit ähnlichen Anzeichen und Symptomen.

VERRÄTERISCHE SYMPTOME

Die Symptome variieren stark, zu ihnen zählen jedoch **Erschöpfung und Schwäche, teilweise Erblindung oder verschwommene Sicht, Taubheit und Darmprobleme. In manchen Fällen können emotionale Veränderungen wie Depressionen oder kognitive Störungen und Denkschwierigkeiten auftreten.**

Wie verbreitet ist dieses Leiden bei Kindern?

Pädiatrische MS bei Kindern tritt nur sehr selten auf, 2 bis 5 % der Patienten geben an, dass ihre ersten Symptome vor dem Alter von 18 Jahren aufgetreten sind. Schätzungsweise leiden 90 % dieser Patienten an RRMS.

Welche Behandlungsoptionen gibt es für pädiatrische RRMS?

In der Regel hat sich die Behandlung von RRMS bei Kindern nach den Standards für Erwachsene gerichtet und besteht aus der Behandlung akuter Attacken und der Behandlung des Krankheitsverlaufs. Krankheitsmodifizierende Therapien wie z. B. Interferone, Glatirameracetat und Dimethylfumarat sind für Erwachsene mit rezidivierenden MS-Formen zugelassen, bisher haben jedoch keine klinischen Studien die Wirksamkeit bei pädiatrischer RRMS nachgewiesen.

EINE SPEZIELLE STUDIE NUR FÜR KINDER

Was ist die CONNECT-Studie?

Die **CONNECT**-Studie ist eine Open-Label-, Phase-3-Studie zur Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit und Auswirkung auf den Krankheitsverlauf von BG00012 (TECFIDERA® [Dimethylfumarat]) bei pädiatrischen Patienten mit RRMS im Vergleich zur krankheitsmodifizierenden Behandlung mit AVONEX® (Interferon beta-1a).

Wie lange dauert die Studienteilnahme?

Die vorgesehene Gesamtdauer der Teilnahme jedes Patienten liegt bei ca. 106 Wochen (ca. 2 Jahren) und beinhaltet eine maximal 6 Wochen dauernde Screeningphase, eine 96-wöchige Behandlungsphase und eine 4-wöchige Sicherheitsnachbeobachtungsphase.



Gibt es eine Verlängerungsstudie?

Ja. Studienteilnehmer, die die erste Studie abschließen, erhalten die Möglichkeit, an einer fünfjährigen Verlängerungsstudie teilzunehmen. Während der Verlängerungsstudie werden sämtliche Teilnehmer das Prüfmedikament BG00012 (TECFIDERA® [Dimethylfumarat]) kostenlos erhalten.

Wer ist Sponsor der CONNECT-Studie?

Biogen Idec, der Hersteller des Prüfmedikaments und ein international marktführendes Unternehmen für die Entwicklung von MS-Therapien, ist Sponsor der **CONNECT**-Studie.

CONNECT VERBINDET KINDER MIT RRMS MIT EINER POTENZIELLEN NEUEN BEHANDLUNGSOPTION

Was ist das Prüfmedikament?

Bei dem Prüfmedikament handelt es sich um BG00012 (TECFIDERA® [Dimethylfumarat]), eine zugelassene Behandlungsoption für Erwachsene mit RRMS. Nach dem Wirksamkeitsnachweis bei Erwachsenen wird die **CONNECT**-Studie durchgeführt, um BG00012 bei pädiatrischen MS-Patienten zu beurteilen, mit folgendem Augenmerk:

- Anzahl der Schübe oder Attacken
- Anzahl der Gehirnläsionen
- Fortschreiten der Behinderung
- Sicherheit und Verträglichkeit

Welche Nebenwirkungen könnte das Prüfmedikament möglicherweise haben?

Zu den möglichen Nebenwirkungen von BG00012 zählen Hautrötungen und gastrointestinale Nebenwirkungen. Neben diesen häufigsten Nebenwirkungen kann es zu einer reduzierten Zahl weißer Blutkörperchen (Thrombozytopenie) kommen. Das vollständige Sicherheitsprofil des Medikaments wird mit den Patienten und deren Familien durchgegangen und besprochen.

Gibt es einen Placebo-Arm?

Nein. Diese Studie beinhaltet keinen Placebo-Arm. Sämtliche Studienteilnehmer werden im Verhältnis 1:1 randomisiert und erhalten entweder AVONEX® (Interferon beta-1a) oder BG00012 (TECFIDERA® [Dimethylfumarat]). Bei beiden Medikamenten handelt es sich um krankheitsmodifizierende Therapien, die für die Verwendung bei Erwachsenen mit rezidivierenden Formen von MS zugelassen sind. Keines der beiden Medikamente ist für die Verwendung bei Kindern zugelassen.

Wie wird das Prüfmedikament verabreicht?

Das Prüfmedikament BG00012 (TECFIDERA® [Dimethylfumarat]) ist eine mündlich zu verabreichende Kapsel, die in der Regel ganz geschluckt wird, jedoch auch geöffnet und der Inhalt in das Essen gemischt werden kann, und zweimal täglich eingenommen wird.

Wie wird das Vergleichsmedikament verabreicht?

Das Vergleichsmedikament AVONEX® (Interferon beta-1a) wird einmal wöchentlich intramuskulär mit einer vorgefüllten Spritze oder einem Autoinjektionsstift injiziert.



ZIEHEN SIE DIE CONNECT-STUDIE FÜR IHRE PÄDIATRISCHEN RRMS-PATIENTEN IN BETRACHT

Wer kommt für die Teilnahme an der CONNECT-Studie in Frage?

- Kinder beiderlei Geschlechts, die zum Zeitpunkt der Einverständniserklärung bzw. Zustimmung 10 bis (einschl.) 17 Jahre alt sind
- Diagnostizierte RRMS
- Körpergewicht ≥ 30 kg
- Mindestens 1 Schub in den letzten 12 Monaten
- Neurologisch stabil, ohne Anzeichen eines Schubs in den letzten 50 Tagen

Alle Studienteilnehmer erhalten das Folgende kostenlos:

- Besuche bei einem pädiatrischen MS-Spezialisten
- Studienbezogene Beratung und Versorgung einschl. MRT
- Studienmedikamente

Werden den Studienteilnehmern Reisekosten erstattet?

Studienteilnehmer können unter Umständen eine Erstattung bestimmter Reisekosten erhalten.

TEAMARBEIT FÜR KINDER MIT MS DURCH KLINISCHE FORSCHUNG

Weshalb sollte sich ein überweisender Facharzt an dieser Forschungsarbeit beteiligen?

Die **CONNECT**-Studie kann eine Option für Ihre pädiatrischen Patienten darstellen, die Zugang zu einer Prüfbehandlung für Kinder, Beurteilung durch einen Spezialisten und engmaschige Überwachung ihrer RRMS wünschen.

Bitte ziehen Sie in Betracht, all Ihre pädiatrischen Patienten mit möglichen Erkrankungen der weißen Substanz oder RRMS zur Beurteilung in an die **CONNECT**-Studie zu überweisen. Mit Ihrem Beitrag und Ihrer Beteiligung können Sie uns helfen, die nötige Anzahl von Patienten in die Studie aufzunehmen, damit wichtige Fragen beantwortet werden können und potenziell weitere medizinische Entwicklungen für Kinder mit MS möglich sind.

